

综述文章

Krumb, E. 和 Hermans, C. [以“无血友病之心”生活——血友病护理的新目标 \(Living with a “hemophilia-free mind” - The new ambition of hemophilia care\)?](#) *Res Pract Thrombosis Haemostasis*; 2021; 5, e12567。

Srivastava, A 等。 [WFH 血友病管理指南 \(WFH Guidelines for the Management of Hemophilia\)](#), 第 3 版。 *Haemophilia* 2020; 26, 1-158。

Weyand AC, Pipe SW。 [血友病的新疗法 \(New therapies for hemophilia\)](#)。 *Blood* 2019; 133:389-398。

凝血因子替代疗法

已获批用于治疗血友病 A 的 SHL 产品

ADVATE	FDA	EMA	Health Canada
Kogenate FS	FDA		
KOVALTRY	FDA	EMA	
Novoeight	FDA	EMA	
NUWIQ	FDA	EMA	Health Canada
XYNTHA/ReFacto AF	FDA	EMA	Health Canada

已获批治疗血友病 A 的 EHL 产品

ADYNOVATE/ADYNOVI	FDA	EMA	Health Canada
ELOCTATE/Elocta	FDA	EMA	Health Canada
ESPEROCT	FDA	EMA	Health Canada
JIVI	FDA	EMA	Health Canada

已获批治疗血友病 A 的 UHL 产品

ALTUVIIIIO	FDA		
------------	---------------------	--	--

已获批用于治疗血友病 B 的 SHL 产品

BeneFIX	FDA	EMA	Health Canada
IXINITY	FDA		
RIXUBIS	FDA	EMA	Health Canada

已获批用于治疗血友病 B 的 EHL 产品

ALPROLIX	FDA	EMA	Health Canada
IDELVION	FDA	EMA	Health Canada
REBINYN/Refixia	FDA	EMA	Health Canada

双特异性抗体疗法

已获批产品

HEMLIBRA (Emicizumab)	FDA	EMA	Health Canada
-----------------------	---------------------	---------------------	-------------------------------

3 期研究

Mim8 正在进行的 3 期研究：NCT05053139、NCT05306418、NCT05685238 和 NCT05878938。

止血再平衡疗法

已获批产品

Alhemo (Concizumab)	FDA	EMA	Health Canada
Hymoviz (Marstacimab)	FDA	EMA	
Qfitlia (fitusiran)	FDA		

3 期研究

Matsushita, T. 等。 [Concizumab 在伴抑制物血友病中的 3 期试验 \(Phase 3 Trial of Concizumab in Hemophilia with Inhibitors\)](#)。 N. Engl. J. Med. 389, 783 – 794 (2023)。
 辉瑞。 [辉瑞宣布 Marstacimab 关键 3 期血友病 A 和 B 试验取得积极结果 \(Pfizer Announces Positive Marstacimab Results from Pivotal Phase 3 Hemophilia A and B Trial\)](#)。 2023 年 5 月 30 日。

Srivastava, A 等。 [Fitusiran 在无抑制物的重度血友病 A 或 B 患者中的预防治疗 \(ATLAS-A/B\): 一项多中心、开放标签、随机、3 期试验 \(Fitusiran prophylaxis in people with severe haemophilia A or haemophilia B without inhibitors \(ATLAS-A/B\): a multicentre, open-label, randomised, phase 3 trial\)](#)。 *Lancet Haematol* 2023; 10, e322-e332。

Young G 等。 [Fitusiran 在伴抑制物的血友病 A 或 B 患者中的疗效和安全性 \(ATLAS-INH\): 一项多中心、开放标签、随机、3 期试验 \(Efficacy and safety of fitusiran prophylaxis in people with haemophilia A or haemophilia B with inhibitors \(ATLAS-INH\): a multicentre, open-label, randomised phase 3 trial\)](#)。 *Lancet* 2023; 401:1427-1437。

基因疗法总论

Konkle BA 等。 [世界血友病联盟基因疗法注册登记系统 \(World Federation of Hemophilia Gene Therapy Registry\)](#)。 *Haemophilia* 2020;26:563-564。

Miesbach W, Klamroth R. [血友病基因疗法的患者体验：与试验患者进行的定性访谈 \(The Patient Experience of Gene Therapy for Hemophilia: Qualitative Interviews with Trial Patients\)](#)。 *Patient Prefer Adherence* 2020; 14:767-770。

Pierce GF, Iorio A. [血友病基因疗法的过去、现在和未来：从载体和转基因到已知和未知结果 \(Past, present and future of haemophilia gene therapy: From vectors and transgenes to known and unknown outcomes\)](#)。 *Haemophilia* 2018; 24 Suppl 6:60-67。

Wang M 等。 [血友病基因疗法患者历程：共享决策问答 \(The Hemophilia Gene Therapy Patient Journey: Questions and Answers for Shared Decision-Making\)](#)。 *Patient Prefer Adherence* 2022; 16:1439-1447。

血友病 A 基因疗法

已获批产品

ROCTAVIAN

[FDA](#)

[EMA](#)

关键临床研究

Ozelo MC 等。 [针对血友病 A 的 Valoctocogene Roxaparvovec 基因疗法 \(Valoctocogene Roxaparvovec Gene Therapy for Hemophilia A\)](#)。 *N Engl J Med* 2022; 386:1013-1025。

Leavitt AD 等。 [Valoctocogene roxaparvovec 基因转移治疗重度血友病 A 后 4 年的疗效、安全性和生活质量：3 期 GENE8-1 试验 \(Efficacy, safety, and quality of life 4 years after valoctocogene roxaparvovec gene transfer for severe hemophilia A in the phase 3 GENE8-1 trial\)](#)。 *Res Pract Thromb Haemost* 2024; 8(8):102615。

血友病 B 基因疗法

已获批产品

HEMGENIX

BEQVEZ

[FDA](#)

[FDA](#)

[EMA](#)

[EMA](#)

[Health Canada](#)

[Health Canada](#)

关键临床研究

Pipe SW 等。 [Etranacogene Dezaparvovec 基因疗法治疗血友病 B \(Gene Therapy with Etranacogene Dezaparvovec for Hemophilia B\)](#)。 *N Engl J Med* 2023; 388:706-718。

Coppens M 等。 [Etranacogene dezaparvovec 基因疗法治疗血友病 B \(HOPE-B\): 来自单臂、多中心、3 期试验的 24 个月事后疗效和安全性数据 \(Etranacogene dezaparvovec gene therapy for haemophilia B \(HOPE-B\): 24-month post-hoc efficacy and safety data from a single-arm, multicentre, phase 3 trial\)](#)。 *Lancet Haematol* 2024; 11: e265-e275。

Cuker A 等。 [Fidanacogene Elaparvovec 基因疗法治疗成人血友病 B \(Gene Therapy with Fidanacogene Elaparvovec in Adults with Hemophilia B\)](#)。 *N Engl J Med* 2024; 391:1108-1118。

最后审核日期：2025 年 3 月

本文档为动态文档，将根据新证据每年更新两次。新证据截止日期为每年 7 月 31 日和 1 月 31 日，更新将在随后数月内完成。 这些截止日期之后出现的任何新证据将纳入下一次更新。